

2 ottobre 2026

Italfarmaco S.P.A. | JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.

Italfarmaco e JCR Pharmaceuticals stipulano un accordo di licenza esclusiva per lo sviluppo e la potenziale commercializzazione di una nuova terapia sperimentale per la sindrome di Hunter negli Stati Uniti, Europa e America Latina

- *JR-141 è una terapia sperimentale progettata per veicolare enzimi al cervello e ai tessuti periferici per trattare i sintomi neuronopatici e somatici della sindrome di Hunter attraverso la somministrazione endovenosa*
- *JCR sta conducendo uno studio clinico globale di Fase III per valutare JR-141 nella sindrome di Hunter*
- *Italfarmaco commercializzerà JR-141 in esclusiva negli Stati Uniti, Europa e America Latina, previa approvazione regolatoria*

Milano, Italia e Hyogo, Giappone – 2 ottobre 2026 – [Italfarmaco S.p.A.](#) (“Italfarmaco”) e [JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.](#) (TSE 4552; “JCR”) hanno annunciato oggi un accordo di licenza esclusiva per lo sviluppo e la commercializzazione di JR-141 negli Stati Uniti, in Europa e in America Latina (“territori concessi in licenza”), previa approvazione regolatoria. JR-141 è una terapia enzimatica sostitutiva in grado di attraversare la barriera emato-encefalica (BEE), attualmente in Fase III ([NCT04573023](#)) di valutazione come trattamento della sindrome di Hunter (nota anche come mucopolisaccaridosi di tipo II o MPS II). JCR e Italfarmaco intendono ottenere l'approvazione regolatoria per JR-141 dalla Food and Drug Administration (FDA) statunitense, dall'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA), dalla Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) del Regno Unito e dall'Agenzia brasiliana di regolamentazione sanitaria (ANVISA). La molecola è già approvata e commercializzata in Giappone dal 2021 come pabinafusp alfa.

A seguito delle approvazioni regolatorie da parte di FDA, EMA, MHRA e ANVISA, Italfarmaco commercializzerà e distribuirà il farmaco nei territori autorizzati, mentre JCR manterrà la responsabilità della produzione di JR-141 al momento delle autorizzazioni all'immissione in commercio. JCR riceverà pagamenti anticipati, milestone e royalty, oltre ai ricavi associati alla fornitura del farmaco.

JR-141 è una proteina di fusione ricombinante di nuova generazione costituita da un anticorpo contro il recettore umano della transferrina e dall'iduronato-2-solfatasi, enzima che è assente o non funziona correttamente negli individui affetti dalla sindrome di Hunter. JR-141 è stato sviluppato utilizzando J-Brain Cargo®, la tecnologia di proprietà di JCR per la penetrazione della BEE. J-Brain Cargo® è progettata per trasportare l'enzima terapeutico attraverso la BEE per raggiungere direttamente il cervello e affrontare sia i sintomi somatici sia quelli neuronopatici della malattia, che possono portare a un progressivo declino cognitivo.

Questo accordo amplia il rapporto tra JCR e Italfarmaco, che hanno stipulato un accordo di licenza esclusiva a [dicembre 2025](#) per la commercializzazione di givinostat in Giappone, un trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne, oltre a un accordo di partnership strategica per le terapie delle malattie rare.

“Siamo lieti di stipulare questo accordo strategico con Italfarmaco e di collaborare con un partner ideale per la commercializzazione globale, mentre lavoriamo per raggiungere il nostro obiettivo di

rendere JR-141 disponibile alle persone affette dalla sindrome di Hunter in tutto il mondo - dichiara Hiroyuki Sonoda, Ph.D., Presidente e Chief Scientific Officer di JCR -. Italfarmaco vanta competenze nello sviluppo e nella commercializzazione di terapie a livello mondiale e non vediamo l'ora di collaborare con loro per rendere JR-141 disponibile anche ai pazienti al di fuori del Giappone nel più breve tempo possibile. Questo accordo rafforza il nostro impegno nella partnership con Italfarmaco, sviluppando terapie per malattie rare e genetiche destinate ai pazienti di tutto il mondo”.

“Questa collaborazione segna una tappa importante nel rapporto tra Italfarmaco e JCR Pharmaceuticals e riflette un impegno condiviso a sviluppare terapie innovative per le persone affette da malattie rare e genetiche - afferma Francesco Di Marco, Chief Executive Officer di Italfarmaco Group -. Unendo la pionieristica esperienza di JCR nelle tecnologie della barriera emato-encefalica e le competenze globali di Italfarmaco nello sviluppo e nella commercializzazione di terapie per le malattie rare, stiamo creando solide basi per accelerare l'innovazione a beneficio delle comunità dei pazienti che ne hanno più bisogno”.

“Sulla base del successo della collaborazione fra Italfarmaco e JCR nella distrofia muscolare di Duchenne, questo accordo rafforza ulteriormente la nostra partnership e consolida l'ambizione condivisa di essere un'azienda leader nel campo delle malattie rare e genetiche”, dichiara Antonio Nardi, Vice President e Head of Business & Portfolio Development di Italfarmaco. “Insieme al nostro partner, proseguiamo nel nostro impegno a rendere disponibili trattamenti innovativi per i pazienti e le famiglie che ne hanno più bisogno”.

Il pagamento anticipato previsto da questo accordo è stato incluso nelle previsioni degli utili consolidati di JCR per l'esercizio fiscale che terminerà il 31 marzo 2027.

La tecnologia della piattaforma J-Brain Cargo®

JCR Pharmaceuticals ha sviluppato una tecnologia di proprietà in grado di attraversare la barriera emato-encefalica (BEE), J-Brain Cargo®, per veicolare i biofarmaci nel sistema nervoso centrale (SNC). Il primo farmaco sviluppato sulla base di questa tecnologia è pabinafusp alfa, approvato in Giappone per il trattamento della sindrome di Hunter, una malattia da accumulo lisosomiale. Con J-Brain Cargo®, JCR si impegna ad affrontare le sfide cliniche ancora irrisolte di queste malattie, veicolando l'enzima sia nell'organismo che nel cervello.

La sindrome di Hunter (mucopolisaccaridosi di tipo II o MPS II)

La sindrome di Hunter (mucopolisaccaridosi di tipo II o MPS II) è una malattia da accumulo lisosomiale a ereditarietà recessiva legata al cromosoma X causata da una carenza di iduronato-2-solfatasi, un enzima che scompone nell'organismo carboidrati complessi chiamati glicosaminoglicani (GAG, noti anche come mucopolisaccaridi). La sindrome di Hunter, che colpisce circa 2.000-3.000 individui in tutto il mondo (secondo una ricerca di JCR), dà origine a un'ampia gamma di sintomi somatici e neurologici. L'attuale standard di cura per la sindrome di Hunter è la terapia enzimatica sostitutiva, che non affronta i sintomi correlati alla compromissione del sistema nervoso centrale in questa malattia lisosomiale.

JR-141

JR-141 (pabinafusp alfa) è una proteina di fusione ricombinante costituita da un anticorpo contro il recettore umano della transferrina e dall'iduronato-2-solfatasi, l'enzima che è assente o non funziona correttamente nelle persone affette dalla sindrome di Hunter. Combinata con J-Brain Cargo®, la tecnologia proprietaria di JCR in grado di attraversare la barriera emato-encefalica (BEE), la molecola attraversa la BEE mediante transitosi mediata dal recettore della transferrina, e il suo ingresso nelle cellule è mediato dal recettore del mannosio-6-fosfato. Si prevede che questo nuovo meccanismo d'azione renda pabinafusp alfa efficace contro i sintomi a carico del sistema nervoso centrale (SNC) della sindrome di Hunter.

Negli studi preclinici, JCR ha confermato sia il legame ad alta affinità di pabinafusp alfa ai recettori della transferrina sia il passaggio nelle cellule neuronali superando la BEE. Inoltre, JCR ha

confermato l'assorbimento dell'enzima in vari tessuti cerebrali. L'azienda ha inoltre confermato una riduzione dell'accumulo di substrato nel SNC e negli organi periferici in un modello animale della sindrome di Hunter.^{1,2}

Pabinafusp alfa è stato approvato in Giappone dal Ministero della Salute, del Lavoro e del Welfare e commercializzato da maggio 2021. È stato inoltre approvato negli Emirati Arabi Uniti (UAE) nel 2026.

Italfarmaco S.p.A.

Fondata nel 1938 a Milano, in Italia, Italfarmaco è un'azienda farmaceutica globale privata che ha guidato con successo lo sviluppo e l'approvazione di numerosi prodotti farmaceutici in tutto il mondo. Il gruppo Italfarmaco opera in più di 90 Paesi attraverso società direttamente controllate o affiliate. L'azienda è leader nella ricerca farmaceutica, nello sviluppo dei prodotti, nella produzione e nella commercializzazione, con comprovato successo in molteplici aree terapeutiche, tra cui oncologia, ginecologia, neurologia, malattie cardiovascolari e malattie rare. L'unità di Italfarmaco dedicata alle malattie rare comprende programmi per la distrofia muscolare di Duchenne, la distrofia muscolare di Becker, la sclerosi laterale amiotrofica e la policitemia vera.

JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.

JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. (TSE 4552) è un'azienda farmaceutica globale specializzata che sviluppa trattamenti che vanno oltre le malattie rare per risolvere le sfide sanitarie più complesse del mondo. Continuiamo a costruire sulla base della nostra esperienza di 50 anni in Giappone, espandendo al contempo la nostra presenza globale negli Stati Uniti, in Europa e in America Latina. Miglioriamo la vita dei pazienti applicando la nostra competenza scientifica e le nostre tecnologie uniche alla ricerca, allo sviluppo e alla fornitura di terapie di nuova generazione. I nostri prodotti approvati in Giappone includono terapie per il trattamento dei disturbi della crescita, della MPS II (sindrome di Hunter), della malattia di Fabry, della malattia acuta del trapianto contro l'ospite e dell'anemia renale. I nostri prodotti sperimentali in fase di sviluppo in tutto il mondo sono destinati al trattamento di malattie rare, tra cui MPS I (sindrome di Hurler, sindrome di Hurler-Scheie e sindrome di Scheie), MPS II, MPS IIIA e B (sindrome di Sanfilippo di tipo A e B) e altre. I nostri valori fondamentali – Mettere le persone al primo posto, Forgiare il nostro percorso, Avanzare sempre e Impegnati nell'eccellenza – significano che il lavoro che svolgiamo porta benefici a tutti i nostri stakeholder, inclusi partner, pazienti e dipendenti. Ci impegniamo ad ampliare le possibilità per i pazienti, accelerando al contempo il progresso medico a livello globale. Per ulteriori informazioni, visitare il sito di JCR <https://jcrpharm.com/>.

Avviso relativo alle dichiarazioni previsionali

Il presente documento contiene dichiarazioni previsionali soggette a rischi e incertezze noti e ignoti, molti dei quali esulano dal nostro controllo. Le dichiarazioni previsionali contengono spesso termini quali "ritenere", "stimare", "prevedere", "intendere", "pianificare", "sarà", "sarebbe", "obiettivo" e riferimenti simili a periodi futuri. Tutte le dichiarazioni previsionali relative ai nostri piani, alle nostre prospettive, alla nostra strategia e alle nostre future attività, ai risultati finanziari e alla situazione finanziaria si basano su valutazioni derivanti dalle informazioni a nostra disposizione al momento. I fattori o gli eventi che potrebbero far sì che i nostri risultati effettivi differiscano in modo sostanziale da quelli espressi nelle nostre dichiarazioni previsionali includono, a titolo esemplificativo ma non esaustivo, un deterioramento delle condizioni economiche, un cambiamento nel sistema giuridico o governativo, un ritardo nel lancio di un nuovo prodotto, l'impatto sulle strategie di prezzo e di prodotto dei concorrenti, un calo delle capacità di marketing relative ai nostri prodotti, difficoltà o ritardi nella produzione, una violazione dei nostri diritti di proprietà intellettuale, una sentenza sfavorevole in una causa legale significativa e provvedimenti normativi. Il presente documento contiene informazioni su prodotti farmaceutici (compresi quelli in fase di sviluppo). Tuttavia, non è destinato a fini pubblicitari né a fornire consulenza medica. Inoltre, ha lo scopo di fornire informazioni sulla nostra società e sulle nostre attività e non di sollecitare investimenti nei titoli da noi emessi (ove applicabile). Salvo quanto previsto dalla legge, non ci assumiamo alcun obbligo di aggiornare pubblicamente tali dichiarazioni previsionali né di aggiornare i fattori che potrebbero far sì che i risultati effettivi differiscano in modo sostanziale, anche qualora in futuro dovessero rendersi disponibili nuove informazioni.

Bibliografia:

1. Sonoda, et al. A blood-brain-barrier-penetrating anti-human transferrin receptor antibody fusion protein for neuronopathic mucopolysaccharidosis II. Mol. Ther. 2018; 26(5): 1366-1374.
2. Morimoto, et al. Clearance of heparin sulfate in the brain prevents neurodegeneration and neurocognitive impairment in MPS II mice. Mol. Ther. 2021; 29(5): 1853-1861.

Contatti:

Ufficio stampa

Intermedia

intermedia@intermedianews.it

030.226105 - 3351892975 – 335265394

Media enquiries - Italfarmaco:

Gretchen Schweitzer / Adolfo Luna | +49 (0) 151 626 74395 jitalfarmaco@trophic.eu

Other enquiries - Italfarmaco:

Samantha Parker | Patient Advocacy and Communications Lead |

RDEnquiries@italfarmacogroup.com

Investors & Media - JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.:

Corporate Communications

ir-info@jp.jcrpharm.com

###